
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

Évaluation d'un médicament en vue
du remboursement et/ou pour
une demande d'autorisation d'accès
précoce

Sommaire

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	9
1. Questionnaire – Partie A	10
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	10
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	10
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	11
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	11
1.3. Le médicament évalué	13
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	14
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	14
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	14
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	15
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	16
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	16
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	16
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	17
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	17
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	18
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	19
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	20
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	21
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	22
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	23
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	24

Introduction

La Commission de la transparence de la HAS a notamment pour mission de rendre des avis :

- en vue du remboursement sur demande des fabricants de médicaments. Ces avis « en vue du remboursement », favorables ou défavorables, sont transmis au Ministère de la Santé qui devra en décider.
- au sujet des demandes d'autorisation d'accès précoce, également à la demande des industriels, pour une prise en charge immédiate et intégrale d'un produit qui n'est pas encore remboursé. C'est sur la base de cet avis que le Collège de la HAS émet la décision finale.

La HAS dispose de toutes les données médico-scientifiques, mais ne peut pas par elle-même donner les arguments de réflexion du point de vue des patients ou usagers concernés.

C'est pourquoi vous êtes invité(e)s à contribuer aux évaluations.

La Commission d'évaluation économique et de santé publique rend un avis économique sur certains de ces médicaments. La présente contribution lui sera transmise systématiquement.

L'équipe du « service engagement des usagers » se tient toujours à votre disposition pour toute question ou échange. Contact : contact.contribution@has-sante.fr / 01 55 93 71 18.



Toutes les associations ou groupes représentant les usagers du système de santé peuvent utiliser ce questionnaire.

Vous pouvez consulter les informations publiées destinées aux associations et de patients et d'usagers sur la page internet dédiée du site internet de la HAS.

Lors des premières fois, il peut être utile de recevoir des explications : il y a toujours un interlocuteur dédié pour vous répondre, vous orienter ou échanger avec vous par mail (contact.contribution@has-sante.fr) ou par téléphone (01 55 93 71 18). C'est le service Engagement des usagers qui vous répondra : il s'agit d'une équipe qui est à votre écoute.

Pour des informations détaillées sur les principes d'évaluation des médicaments par la Commission de la transparence, vous pouvez consulter les doctrines d'évaluation [en vue du remboursement](#) et [en vue d'une autorisation d'accès précoce](#). Cette lecture spécialisée n'est pas nécessaire pour remplir ce questionnaire.

NB : pour simplifier la lecture, le masculin est utilisé dans les phrases de ce questionnaire – ceci est simplement une convention de rédaction dans le présent document. [La HAS promeut l'inclusion et l'égalité sur tous les plans, y compris de genre et de sexe](#).

Note importante

Les questions de ce formulaire ne sont pas contraignantes. Elles ont pour but de vous orienter si vous les trouvez pertinentes.

Si vous le souhaitez, vous pouvez n'utiliser que les cadres « Autres » qui peuvent être agrandis autant que nécessaire.

Seules les questions de la partie administrative tout au début de ce questionnaire sont obligatoires

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

TRIXEO AEROSPHERE formotérol/glycopyrronium/budésonide

Dénomination commune internationale (DCI) :

Formotérol/glycopyrronium/budésonide

Indication pour l'évaluation d'un médicament en vue de remboursement ou d'autorisation d'accès précoce :

Traitement continu de la bronchopneumopathie chronique obstructive (BPCO) sévère chez les adultes non traités de façon satisfaisante par l'association d'un corticostéroïde inhalé et d'un bêta-2-agoniste de longue durée d'action ou par l'association d'un bêta-2-agoniste de longue durée d'action et d'un antagoniste muscarinique de longue durée d'action.

Cette contribution porte sur une évaluation (cocher la case correspondante ou les deux cases le cas échéant) :

Pour mémoire, cette information figure en regard du nom du médicament sur la page dédiée aux contributions sur le site de la HAS.

- ☒ En vue du remboursement de droit commun
- ☐ Pour une demande d'autorisation d'accès précoce

1. Questionnaire – Partie A

1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie

1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients



Vous pouvez aborder les thèmes ci-dessous s'ils vous semblent pertinents, et ajouter autant d'aspects ou de paramètres qu'il faudrait prendre en considération

Vous pouvez hiérarchiser les thèmes, vous pouvez qualifier leur gravité en utilisant une échelle de 1 (moins grave) à 5 (le plus grave)

Vous pouvez détailler les impacts en séparant des 'groupes', par exemple homme/femme, enfant/adulte, etc. :

- Fatigue intellectuelle ou physique*
- Activités de la vie quotidienne*
- Mobilité/déplacement*
- Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur – Scolarité, activités sportives et ludiques, etc.*
- Vie professionnelle – Capacité de travail*
- Vie affective*
- Vie sexuelle*
- Vie sociale*
- Impacts psychologiques*
- Douleur*
- Aspects financiers*
- Autres aspects*

Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

La bronchopneumopathie chronique obstructive (BPCO) touche près de 5 millions de personnes en France. Cette maladie pulmonaire se caractérise par une inflammation et une obstruction lente et généralement progressive des bronches.

La BPCO impacte fortement la qualité de vie des patients :

- Essoufflement à l'effort (dyspnée), fatigue, douleurs
- Vie sociale : difficultés à réaliser des tâches du quotidien
- Vie professionnelle : fatigue, absentéisme, etc.
- Troubles du sommeil (3 patients sur 4 déclarent des troubles du sommeil)
- Vie affective et sexuelle (40 % déclarent ne plus avoir d'activité sexuelle)

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportés par les patients¹ qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

☐ Non

☐ Oui, lesquels ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants



Vous pouvez aborder les thèmes ci-dessous s'ils vous semblent pertinents, et ajouter autant d'aspects ou de paramètres qu'il faudrait prendre en considération

Vous pouvez hiérarchiser les thèmes, vous pouvez qualifier leur gravité en utilisant une échelle de 1 (moins grave) à 5 (le plus grave)

Vous pouvez détailler les impacts en séparant des « groupes », par exemple homme/femme, enfant/adulte, etc.

- *Fatigue intellectuelle ou physique*
- *Activités de la vie quotidienne*
- *Mobilité/déplacement*
- *Problématique spécifique aux maladies génétiques impactant d'autres membres de la famille*
- *Vie professionnelle – Capacité de travail*
- *Vie affective*
- *Vie sexuelle*
- *Vie sociale*
- *Impacts psychologiques*
- *Aspects financiers*
- *Autres aspects*

Quels sont les impacts de la maladie sur les proches ou les aidants ?

La BPCO d'un proche peut avoir un impact sur la vie personnelle et professionnelle de l'aidant.

1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)

¹ Parfois appelés PROMs. Les 'Patient reported outcomes measures' sont des questionnaires remplis par les patients eux-mêmes ou leurs proches pour mesurer des résultats de soins. Les PROMs permettent de détecter des changements de l'état de santé du patient, quelle que soit sa pathologie. Les questionnaires utilisés peuvent être génériques, utilisables quelle que soit la pathologie, ou spécifiques d'une pathologie.



Les informations demandées ici sont importantes pour la Commission de la transparence car elle évalue les nouveaux produits comparativement aux options thérapeutiques déjà disponibles. Les avis en vue du remboursement comportent notamment une gradation du progrès thérapeutique apporté par un nouveau médicament au regard des traitements actuellement disponibles ou de la prise en charge habituelle. C'est ce que l'on appelle « l'Amélioration du Service Médical Rendu » (ASMR). L'ASMR comporte cinq niveaux allant de « absente » (ASMR V) à « majeure » (ASMR I).



Merci de décrire principalement les traitements qui ont la même indication que le produit évalué (même maladie, même âge, même objectif, traitement donné au même stade d'évolution, par exemple en première intention ou après échec d'un autre traitement, etc.).

Donner une brève description de ces traitements, de leurs avantages et inconvénients, et de leur impact sur la qualité de vie (effets bénéfiques ou indésirables, facilité ou difficulté d'usage) et sur le parcours de soins du patient (hospitalisation, déplacements hors du domicile, fréquence des bilans liés au suivi du traitement, etc...).

Quels sont les traitements actuels utilisés dans l'indication mentionnée pour ce dossier ? Par exemple, médicaments, dispositifs médicaux, rééducation, soins supports, soutien psychologique, etc.

- 1/ L'arrêt des irritants, et en particulier le sevrage tabagique.
- 2/ Prévention vaccinale (grippe, anti-pneumocoque, Covid)
- 3/ Médicaments qui relâchent les bronches (bronchodilatateurs).
- 4/ La réadaptation respiratoire qui améliore la tolérance à l'effort et la gestion du quotidien avec la maladie.
- 5/ La pratique d'une activité physique régulière et adaptée
- 6/ Gestion du stress et des émotions

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Les principaux avantages des traitements sont :

- Amélioration de la qualité de vie
- Diminution des symptômes
- Réduction des exacerbations
- Amélioration de la fonction respiratoire

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

-

- **Dispositifs inhalés :**
 - **Un niveau de formation insuffisant :** entre 60 et 80 % des personnes commettent au moins une erreur dans l'utilisation, indépendante du dispositif. 44 % n'adoptent pas systématiquement les quatre bons gestes lorsqu'ils utilisent leur(s) inhalateur(s) : vérifier la présence de la dose, vider les poumons, inspirer profondément et bloquer la respiration.
 - **Une observance thérapeutique insuffisante :** 35 % des patients n'adhèrent pas ou peu à leur traitement (ils oublient leur traitement et/ou ne font pas attention aux jours auxquels ils doivent le prendre et/ou cessent de le prendre quand ils se sentent mieux ou moins bien).
- **Faible accès aux programmes de réadaptation respiratoire** (à peine 5 à 10% des patients en bénéficient.)
- *A noter : Les références des études et enquêtes sont indiquées dans la Partie 6.*

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que les traitements actuellement proposés dans cette indication ne couvrent pas tous vos besoins ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

1.3. Le médicament évalué



Les catégories ci-dessous sont proposées à titre indicatif, elles peuvent être utilisées dans certaines questions. Il n'est pas nécessaire de les remplir toutes. L'important est de nous signaler les 3 améliorations ou inconvénients principaux qui peuvent porter sur l'une ou l'autre de ces catégories, par exemple sur :

- *l'état de santé de la personne concernée, sa guérison, sa durée de vie si maladie grave ;*
- *la qualité de vie (notamment impact sur la fatigue intellectuelle ou physique, les activités de la vie quotidienne, la mobilité et les déplacements, la vie professionnelle ou les capacités de travail, la vie affective, la vie sexuelle, la vie sociale ou d'autres aspects à préciser. Dans le cadre de la pédiatrie, il pourrait s'agir notamment de la croissance, la scolarité, des activités ludiques et sportives ;*
- *la qualité de vie de ses proches ;*
- *l'usage de ce traitement ;*
- *le parcours de santé et de vie du patient ;*
- *autres : n'hésitez pas à ajouter tout autre élément que vous souhaitez.*

1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire

Le libellé de l'indication demandée (ce qui désigne les patients concernés) par le laboratoire vous semble-t-il adéquat ? Toute la population des patients concernés est-elle bien incluse dans ce libellé ? D'autres groupes de patients devraient-ils figurer ? Merci de justifier votre réponse.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).



Si votre avis s'appuie sur l'expérience de personnes ayant utilisé ce traitement remplir la rubrique « Si vous avez une expérience... » ci-dessous (§ 1.3.2).

Si vous ne connaissez pas de patients ayant utilisé ce traitement, ne remplir que la rubrique « Si vous n'avez pas d'expérience... » (§ 1.3.3).

Vous pouvez laisser vide l'une ou l'autre de ces rubriques.

1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)

1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :

Quelles sont les principales améliorations constatées par rapport aux traitements actuels ?



Exemples d'amélioration (cette liste ne donne que quelques exemples possibles) : moins d'effets secondaires, plus d'efficacité sur un aspect de la maladie, fréquence ou mode d'administration plus confortable, etc.

- Disposition de triples associations fixes inhalées plutôt que des triples dissociées,
- Disposition de packs trimestriels ou rechargeables, qui présentent de nombreux avantages : diminution des déchets d'emballage (plus écologique), réduction des coûts par boîte déduits des remboursements de la CPAM/franchise médicale, l'optimisation de la gestion des stocks personnels qui favorise le respect de la prescription et moins de trajets pour se rendre à la pharmacie mais aussi une réduction du risque d'erreur de mésusage et de technique d'inhalation.

1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement

Quels sont les principaux inconvénients constatés avec le médicament étudié, notamment par rapport à ceux des traitements actuels ?

Un inconvénient nous semble majeur quant à la **prescription de la triple thérapie** :

- L'évaluation par le pneumologue est essentielle ; cette triple thérapie étant réservée aux formes sévères de BPCO. Cependant, la restreindre à la prescription par le spécialiste sous le prétexte d'un risque de mésusage nous semble constituer **une restriction à l'accès aux soins**, a fortiori dans les zones de moindre densité médicale spécialisée, alors même que les délais de rendez-vous pour consulter un spécialiste s'allongent. Pour rappel, la densité médicale est de 122,7/100 000 habitants et de 3,6/100 000 pour les médecins généralistes et les médecins pneumologues, respectivement (chiffres CNOM 2021).
- 81 % des patients sous bithérapies CSI/LABA ou LABA/LAMA sont pris en charge par le médecin généraliste. Les patients susceptibles d'être éligibles à une escalade thérapeutique vers une triple thérapie sont donc, pour la majorité, suivis en médecine générale. Une étude (à paraître) conduite sur la période juin 2021 - juillet 2022 (à partir de la base de données IQVIA) a montré que 13 % des sujets traités pour BPCO ont consulté un pneumologue, 63 % un médecin généraliste et 24 % un pneumologue et un généraliste.
-
- La prescription de la triple thérapie fixe réservée au spécialiste **limite l'accès au traitement unique, qui nous semble pourtant un atout du point de vue de la qualité de vie des malades et de l'observance médicamenteuse** lorsqu'il s'agit d'un traitement au long cours. C'est ainsi se priver d'un moyen pour renforcer l'observance thérapeutique, déjà problématique. Une enquête menée par Santé respiratoire France en 2020 l'avait souligné : 35 % des patients BPCO n'adhèrent pas ou peu à leur traitement (ils l'oublient et/ou ne font pas attention aux jours auxquels ils doivent le prendre et/ou cessent de le prendre quand ils se sentent mieux ou moins bien).
-
- **La levée de la prescription initiale de la thérapie trois-en-un par le pneumologue nous semble essentielle, avec une ouverture de la prescription initiale au médecin généraliste, en concertation avec le spécialiste.** La primo-prescription par le médecin généraliste pourrait être conditionnée par une visite dans les trois à six mois chez le pneumologue, pour une évaluation globale et experte de la pathologie du patient, chez ceux n'ayant pas de suivi pneumologique, comme cela est précisé dans le Guide du parcours de soins BPCO de la HAS (2020) qui mentionne une évaluation fonctionnelle respiratoire dans les six mois. Ce guide positionne d'ailleurs le médecin généraliste au cœur de la prise en charge du patient souffrant de BPCO.

1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?

1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation



Exemples d'attentes (cette liste ne donne que quelques exemples possibles) : moins d'effets secondaires, plus d'efficacité sur un aspect de la maladie, fréquence ou mode d'administration plus confortable, etc.

Quelles sont les principales améliorations attendues par rapport aux traitements actuels ?

La levée de la prescription initiale de la thérapie trois-en-un par le pneumologue, avec une ouverture de la prescription initiale au médecin généraliste, en concertation avec le spécialiste.

1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation

Quelles sont les principales craintes concernant ce médicament, notamment par rapport aux traitements actuels ?

Voir point 1.3.2.2

2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)



Cette partie concerne uniquement les demandes d'autorisation d'accès précoce

Si votre contribution concerne un avis en vue du remboursement, merci de passer directement à la partie C « Synthèse ».



La décision d'autoriser ou non l'accès précoce prise par la HAS repose réglementairement sur quatre critères :

- 1. le caractère rare, grave ou invalidant de la maladie traitée par le médicament pour lequel la demande d'autorisation précoce est faite.*
- 2. l'absence de traitement approprié disponible.*
- 3. le caractère présumé innovant du médicament, notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent.*
- 4. l'impossibilité de différer le traitement.*

C'est pourquoi nous vous invitons dans cette rubrique à vous positionner sur ces questions.



Vous pouvez utiliser les champs « autres » d'une manière libre pour vous exprimer.

2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est invalidante et/ou grave ?

Un accès précoce facilite l'accès à la santé pour les patients avec un service rendu, une diminution des exacerbations et des hospitalisations et un meilleur traitement ambulatoire à un cout moindre (par rapport à 2 dispositifs dans le cadre d'une triple dissociée).

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que les traitements actuellement proposés dans cette indication ne sont pas appropriés ?

Aucun. On parle de maladie respiratoire chronique obstructive avec un traitement simple mis en place par le médecin, quel que soit son mode d'exercice, et secondaire à une évaluation du spécialiste qui permet dans les 3 à 6 mois de corriger si besoin. Actuellement, les effectifs de pneumologues ne permettent pas de voir tous les patients en primo prescription dans les temps impartis, cela représente une perte de chance pour le patient avec un risque majeur d'exacerbation, source d'hospitalisations qui seraient évitables.

Quelles sont les arguments principaux qui vous permettent de dire que le médicament étudié vous semble innovant par rapport aux traitements actuels ?



Cette question porte sur le caractère innovant de l'usage du produit pour lequel la demande d'autorisation d'accès précoce est demandée.

Le caractère innovant du produit dans l'indication demandée repose notamment² sur deux points :

- l'apport d'un changement substantiel en matière d'efficacité y compris sur la qualité de vie, de tolérance, de praticité ou de commodité d'emploi ou de parcours de soins ;*
- la couverture d'un besoin médical non ou insuffisamment couvert (ex. : usage adapté pour les enfants).*

Nous souhaitons attirer votre attention sur l'utilisation des triples association fixe en général sans parler plus spécifiquement d'un produit en particulier.

2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé



Il est essentiel pendant l'accès précoce d'observer avec attention l'utilisation et les effets du médicament pour mieux le connaître et évaluer son efficacité et ses effets indésirables en « vie réelle ».

Les données relatives à l'utilisation et aux effets du médicament sont collectées auprès des patients de deux façons :

- par le médecin durant les consultations : le médecin prescripteur de ce médicament posera des questions aux patients sur l'état dans lequel ils se sentent avec le traitement ;*
- par les patients eux-mêmes entre les consultations : les patients (et/ou leurs proches dans certains cas) recevront un ou plusieurs questionnaires en ligne ou sous format papier afin de recueillir eux-mêmes des données de santé et plus particulièrement de qualité de vie. Ces questionnaires de qualité de vie doivent*

² Pour plus de détails, consulter le § 2.4.2 du document : [Autorisation d'accès précoce aux médicaments : doctrine d'évaluation de la HAS](#)

être remplis par les patients eux-mêmes, sans interprétation du médecin ou de tierces personnes.

La façon dont cette surveillance et cette collecte de données sont organisées est décrite en détail dans un document spécifique nommé « Protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données », ou : PUT-RD.

Nous vous invitons à nous donner votre avis sur les données ou informations qu'il serait pertinent de recueillir du point de vue des patients et/ou des aidants.



Dans cette rubrique, nous vous demandons d'exprimer les types de données ainsi que la façon de les recueillir qui sont les plus pertinentes de votre point de vue. Il n'est pas utile de mentionner les données purement médicales telles que les paramètres biologiques.

2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir

Quels sont les informations essentielles que les patients pourraient recueillir eux-mêmes pour aider à mieux connaître (qualitativement et/ou quantitativement) l'efficacité et la sécurité du traitement évalué ?

Nous préconisons la mise en place de PROMS sur cette indication. Il existe des questionnaires, voire des vidéos, qui permettent une autocorrection de la prise du dispositif inhalé par le patient avec un simple smartphone (à titre d'exemple, la solution Hephai). Il serait tout à fait envisageable d'y associer un auto questionnaire de qualité de vie simple pour le patient. Santé respiratoire France sera force d'action et de propositions concrètes et opérationnelles allant dans ce sens.

A noter : dans une enquête menée par le RespiLab de l'association (2022), 78 % des personnes BPCO et asthmatiques interrogées portaient un intérêt aux vidéos éducatives qui décrivent le mode de fonctionnement et l'utilisation des inhalateurs pour chaque modèle. A ce propos, 28 % en ont déjà visionné, et 50 % se disaient prêts à en regarder.

Quelles sont les conditions à réunir pour que les patients collectent au mieux les informations demandées (recueil au domicile, avec l'aide d'un soignant à l'hôpital, recueil par les proches, recueil avec l'aide d'un patient expert, combinaison de plusieurs modalités de recueil, etc. ?)

Nous identifions **deux leviers de collecte** :

- La **mise en place d'un télésuivi** de maladie chronique intégrant des auto-questionnaires adaptés
- Le déploiement des **PROMs**

Santé respiratoire France est prête à s'engager aux côtés de la HAS sur ce sujet. Cela pourrait se faire dans le cadre d'une équipe de soin spécialisée à l'échelle d'un territoire de santé et de manière adaptée aux ressources médicales et paramédicales existantes (avec une délégation de tâche possible, par exemple avec les IPA).

L'objectif premier de l'association est **la prise en soins des patients**, leur accès au système de santé sans pertes de chances et l'amélioration de leur qualité de vie, qu'ils puissent poursuivre une vie décente en ambulatoire et ainsi par là-même soulager le système hospitalier d'hospitalisations évitables.

2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données



La soumission d'un « protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données » (PUT-RD) est une obligation légale pour le laboratoire pharmaceutique qui soumet une demande d'accès précoce. Ces données d'utilisation vont renforcer les connaissances sur le médicament en pratique clinique habituelle.

Le PUT-RD a notamment pour vocation la collecte de données et la surveillance des patients ; il doit mentionner ce qui sera collecté à cette fin³.



Le PUT-RD n'est pas publié sur notre site. La HAS peut décider de le transmettre tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations de patients constitués en personne morale.

Si vous souhaitez consulter ce document pour le commenter dans cette rubrique, merci de nous adresser un mail de demande à contact.contribution@has-sante.fr. La consultation du document est soumise à la signature d'un engagement de confidentialité, et ne sera approuvée que pour les associations constituées en entité morale. La transmission du document se fait en général sous 72h.

Avez-vous consulté le projet de protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?

☐ Oui

☒ Non

Avez-vous des commentaires ou des compléments relatifs au protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?

Ce point constitue pour l'association un point de vigilance fort. Nous participons dans ce sens à différents groupes de réflexions sur le sujet, tout particulièrement avec le Health Data Hub mais aussi la Société française de santé digitale (SFSD).

³ Également appelées « variables d'intérêt »

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition



La Commission de la transparence peut décider d'auditionner une ou des associations ou groupes d'utilisateurs lors de l'examen de la demande.

Vous pouvez ici manifester votre intérêt pour une telle audition (en plus de cette contribution écrite).

ATTENTION : Les auditions devant la commission de la transparence sont ordinairement accordées dans le cadre des autorisations d'accès précoce ; elles sont exceptionnelles dans le cadre du remboursement.

Souhaitez-vous être auditionné ?

☒ Oui

☐ Non

Pour quelles raisons ?

Pour pouvoir vous exposer nos arguments et nos préoccupations quant à l'accessibilité pour les patients de la triple thérapie fixe inhalée.

4. Questionnaire – Partie D : Synthèse



Listez les points les plus importants de votre contribution. Par exemple :

- Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont ...
- Les thérapeutiques actuellement disponibles sont (in) adéquates parce que ...
- Le médicament étudié répond (peu) aux besoins et attentes des patients parce que ...
- Les besoins thérapeutiques non couverts les plus importants sont ...

Cette liste n'est bien entendue pas limitative.

Cadre de réponse

Nous souhaitons alerter sur la primo-prescription par le médecin pneumologue de la triple association fixe inhalée dans la BPCO. Celle-ci nous semble un non-sens de nature à constituer une restriction de l'accès de cette thérapeutique pour les patients, qui nous paraît pourtant un atout du point de vue de la qualité de vie des malades et de l'observance médicamenteuse.

5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques



Si vous souhaitez compléter les informations que vous jugez utiles pour la Commission de la transparence, merci d'utiliser cette partie de façon libre.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

6. Questionnaire – Partie F : Méthodes

Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire



Indiquer la méthode utilisée pour renseigner les différentes parties de ce questionnaire (par exemple enquête, réseaux sociaux, groupe de travail, témoignages, entretiens qualitatifs de patients ou de proches ayant eu accès aux traitements lors d'essais cliniques, appels téléphonique, nombre de participants, échanges internationaux avec des associations de pays où le traitement est déjà commercialisé, avec les périodes concernées).

Selon quelles méthodes avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles ?

Références :

- Données issues du suivi longitudinal des délivrances en pharmacies de ville - LTD IQVIA (septembre 2022)
- Guide du parcours de soins de la BPCO ([HAS](#))

Enquêtes RespiLab de Santé respiratoire France :

- BPCO & Autonomie Impact de la BPCO sur la qualité de vie au quotidien (RespiLab, 2016)
- Enquête BPCO et sexualité (RespiLab, 2019)

)

Selon quelles méthodes avez-vous recueilli l'expérience des patients avec ce traitement ?

Références études et enquêtes :

- Fardeau et prise en charge des patients traités pour BPCO en France. Roche N et al. CPLF 2023, 27-29 janvier, Marseille.
- Molimard M, Raheison C, Lignot S, Balestra A, Lamarque S, Chartier A, et al. Chronic obstructive pulmonary disease exacerbation and inhaler device handling: real-life assessment of 2935 patients. *The European respiratory journal*. 2017;49(2)
- Enquête RespiLab « Formation des patients BPCO à l'utilisation des inhalateurs », conduite en ligne du 27 septembre au 31 octobre 2019, auprès de 1190 personnes souffrant de BPCO (RespiLab)
- Enquête RespiLab « Observance et impact écologique des dispositifs inhalés » (644 patients sondés, via la mise en place d'un questionnaire en ligne entre avril et mai 2022).

Quelles sont les personnes qui ont contribué significativement à la rédaction de la contribution ?

Odile SAUVAGET (Directrice Santé respiratoire France) et Frédéric LE GUILLOU (Président de Santé respiratoire France)

L'association a-t-elle reçu des aides extérieures pour soutenir sa contribution ? Si oui, lesquelles ?

Non

Pouvez-vous nous donner une estimation du temps qui a été nécessaire pour rédiger cette contribution ?

5 heures

Avez-vous rencontré des difficultés pour remplir ce questionnaire, et si oui, lesquelles ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Remerciements

Nous vous remercions vivement pour votre apport et votre temps passé. Nous les savons importants. Votre contribution sera prise en compte par la Commission de la transparence. Elle sera distribuée à tous les membres de cette dernière au même titre que les autres pièces du dossier, et fera l'objet d'une présentation orale par les membres des commissions nommés en qualité de membres adhérents d'une association d'utilisateurs avant les délibérations.

Conception du questionnaire

Ce questionnaire a été construit en collaboration avec des représentants associatifs via un groupe de travail dédié. Pour plus d'information, [cliquez ici](#).

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr

